

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	進行性骨化性線維異形成症（FOP）に対する革新的治療薬の創出
代表機関	第一三共株式会社
公募型	一般型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

本研究は、代表機関と埼玉医科大学の共同研究により見いだされた抗 ALK2 抗体を、国の指定難病である FOP に対する治療薬として実用化することを最終目標とする。FOP は、筋肉や腱などの軟部組織において、本来は形成されない骨組織が形成される、進行性かつ重篤な疾患で、世界的には人口 200 万人に対して 1 人程度の割合で発症することが知られている。FOP の原因は、骨形成タンパク質の受容体である ALK2 の活性型変異であることが報告されているが、有効な治療法は未だ確立されていない。本課題の目標達成により、日本発の革新的な希少疾患治療薬の創出が期待される。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「第 I 相臨床試験の結果から、安全性や認容性に問題がなく次試験に進めることが可能と考えられ、今後も計画通りに進捗することが期待される。」

以上、研究開発実施計画書にもとづき、進捗を確認した結果、本課題の継続を可と評価した。

以上